

Anemia de Células Falciformes y los Estudios Clínicos



¿Qué es la anemia de células falciformes?

La anemia de células falciformes (ACF) es el trastorno sanguíneo hereditario más común en EE. UU. Principalmente afecta afroamericanos (1 en 500) e hispanoamericanos (1 en 36,00). Es crónica y puede ocasionar **dolor severo, daño orgánico o incluso un derrame cerebral.**

La anemia de células falciformes es devastadora para los pacientes y sus familias. La FDA entiende que los pacientes tienen necesidades médicas que los tratamientos actuales no pueden satisfacer, por eso son necesarios nuevos tratamientos en forma urgente.

La FDA habla con pacientes que padecen ACF

En febrero de 2014, la FDA celebró una reunión de Desarrollo de Medicamentos basado en la Perspectiva del Paciente con ACF para averiguar qué piensan los pacientes acerca de los tratamientos disponibles para ACF y cómo la enfermedad impacta en sus vidas. Esta fue la reunión con pacientes que tuvo más asistencia en la historia de la Red de Pacientes de la FDA. Los pacientes dijeron que querían información más clara, transparente para ayudarles a equilibrar los beneficios y riesgos de participar en estudios clínicos. Los pacientes también necesitan nuevos y mejores tratamientos para:

- **Dolor agudo y crónico**
- **Perturbaciones en el sueño**
- **Derrame cerebral**
- **Fatiga**

Datos Clave

- La anemia de células falciformes (ACF) es el trastorno sanguíneo hereditario más común en EE. UU.
- La FDA se reunió con pacientes con ACF para conocer la perspectiva del paciente sobre los tratamientos disponibles y para informar el futuro desarrollo de medicamentos.
- Los estudios clínicos pueden ser una opción para pacientes con ACF.
- Los estudios clínicos tienen controles para asegurar la seguridad de los pacientes.

Opciones de tratamiento para ACF

Los tratamientos actuales para la anemia de células falciformes se limitan a la prevención y manejo de una crisis de dolor, que es síntoma más debilitante de la ACF.

- **Hidroxiurea:** Los pacientes pueden tomar este medicamento oral para ayudar a reducir la frecuencia de las crisis de dolor y la necesidad de transfusiones de sangre.
- **Medicamentos para el dolor:** Los pacientes pueden manejar el dolor con medicamentos antiinflamatorios no esteroides (AINE), opioides, antidepresivos y anticonvulsivos.
- **Terapia transfusional crónica:** Los pacientes pueden recibir transfusiones periódicas de sangre para ayudarles a prevenir complicaciones.
- **Trasplante de médula ósea o células madre:** Los pacientes más jóvenes con ACF severa pueden considerar trasplantes, pero son costosos y requieren un donante adecuado de médula ósea o células madre.



¿Qué son los estudios clínicos?

Los estudios clínicos son muy importantes para el desarrollo de más y mejores tratamientos para la anemia de células falciformes.

Antes de que la FDA pueda aprobar un producto médico nuevo, deben probarse los medicamentos y terapias experimentales en un entorno controlado en las personas que tienen las mayores probabilidades de utilizar el medicamento. Esto se hace para que la FDA y los desarrolladores de medicamentos puedan asegurar que el producto médico es seguro, que funciona y para determinar cómo el medicamento se compara con otros tratamientos existentes.

¿Por qué participar en un estudio clínico?

Los pacientes están motivados para participar en estudios clínicos por muchos motivos. Por ejemplo, los estudios clínicos pueden proporcionar otra opción cuando la terapia estándar ha fallado. Los pacientes con frecuencia participan en estudios clínicos porque:

- Ninguna de las opciones de tratamiento estándar (aprobadas por la FDA) funcionan en el paciente.
- El paciente es incapaz de tolerar ciertos efectos secundarios del tratamiento existente.
- El paciente quiere formar parte del proceso de investigación que contribuya al avance en los tratamientos para la ACF.

Seguridad de los estudios clínicos

Existen varias leyes vigentes para asegurar que los estudios clínicos sean tan seguros como sea posible. Algunas salvaguardas incluyen:

- **Monitores del estudio:** Los estudios son monitoreados en todo momento por médicos y personal capacitado para asegurar que el estudio sea tan seguro como sea posible.
- **Consentimiento informado:** Los investigadores están obligados por ley a darle todos los datos relacionados con un estudio, incluidos los riesgos y beneficios potenciales, antes de que acepte ofrecerse como voluntario para un estudio clínico.

Puede abandonar el estudio en *cualquier* momento por *cualquier* motivo.

Estudios clínicos de ACF y la FDA

La FDA quiere elevar la conciencia acerca de los estudios clínicos para la anemia de células falciformes.

La FDA está desarrollando materiales educativos para elevar la conciencia acerca de los estudios clínicos. Algunos de estos materiales incluyen un seminario web para que los pacientes conozcan cómo encontrar estudios clínicos para la ACF y reuniones con los grupos interesados de ACF para determinar las mejores estrategias para elevar la conciencia acerca de la participación en estudios clínicos.

Si usted es un paciente con anemia de células falciformes, hable con su médico para decidir si los estudios clínicos son adecuados para usted.

